IX kadencja

SEJM RZECZYPOSPOLITEJ POLSKIEJ

KANCELARIA SEJMU
Biuro Komisji Sejmowych

PEŁNY ZAPIS PRZEBIEGU POSIEDZENIA

■ **Komisji Zdrowia**
(nr 73)
z dnia 12 maja 2021 r.

Pełny zapis przebiegu posiedzenia

Komisji Zdrowia (nr 73)

12 maja 2021 r.

Komisja Zdrowia, obradująca pod przewodnictwem posła **Tomasza Latosa (PiS)**, przewodniczącego Komisji, rozpatrzyła:

– informację ministra zdrowia na temat planu dla chorób rzadkich – rozwiązania organizacyjne i finansowanie.

W posiedzeniu udział wzięli: **Sławomir Gadomski** podsekretarz stanu w Ministerstwie Zdrowia wraz ze współpracownikami, **Agata Wolnicka** naczelnik Wydziału Programów Lekowych i Chemioterapii Departamentu Gospodarki Lekami Narodowego Funduszu Zdrowia, **Marcin Czech** prezes-elekt Polskiego Towarzystwa Farmakoekonomicznego, **Olga Haus** przewodnicząca Polskiego Towarzystwa Genetyki Człowieka, **Anna Latos-Bieleńska** kierownik Katedry i Zakładu Genetyki Medycznej w Poznaniu, **Kacper Ruciński** członek Rady Strategicznej Fundacji SMA oraz **Alfaro Adrian Bustos** grupa pacjentów z Zespołem Arnolda Chiariego i jamistością rdzenia.

W posiedzeniu udział wzięli pracownicy Kancelarii Sejmu: **Jakub Stefański** i **Monika Żołnierowicz-Kasprzyk** – z sekretariatu Komisji w Biurze Komisji Sejmowych.

Przewodniczący poseł Tomasz Latos (PiS):

Dzień dobry, bardzo serdecznie witam wszystkich państwa na posiedzeniu Komisji Zdrowia. Dzisiejszy porządek dzienny obejmuje rozpatrzenie informacji ministra zdrowia na temat planu dla chorób rzadkich – rozwiązania organizacyjne i finansowanie.

Bardzo serdecznie witam panie i panów posłów. Witam pana ministra wraz ze współpracownikami. Witam przedstawiciela Narodowego Funduszu Zdrowia, kłaniam się, dzień dobry, oraz licznie zaproszonych gości.

Na początku musimy sprawdzić kworum. Proszę o uruchomienie procedury. Proszę o przyciśnięcie dowolnego przycisku. Proszę o podanie wyników. Stwierdzam kworum i jednocześnie informuję, że głosowanie w sprawie kworum zostawimy otwarte, aby osoby, które za chwilę do nas dołączą, mogły w ten sposób potwierdzić swoją obecność na posiedzeniu Komisji.

Czy są uwagi do porządku obrad? Nie widzę. Stwierdzam zatem, że porządek obrad został przyjęty. Rozpoczynamy procedowanie.

Na początku proszę o zabranie głosu pana ministra Sławomira Gadomskiego. Bardzo proszę.

Podsekretarz stanu w Ministerstwie Zdrowia Sławomir Gadomski:

Dziękuję, panie przewodniczący. Dzień dobry. Wydaje się, że plan już zaistniał w świadomości państwa parlamentarzystów i w szczególności w świadomości zebranych gości. Myślę, że część zebranych gości intensywnie pracowała nad przygotowaniem planu dla chorób rzadkich i rozwiązań finansowych i organizacyjnych, które w tym planie zaplanowaliśmy.

Kolokwialnie mówiąc, to trochę historia z brodą, bo próbowaliśmy wypracować ten plan przez ileś lat. Już w 2007 r. Parlament Europejski i Rada Europejska określiły, że państwa członkowskie powinny wypracować plany i strategie dotyczące chorób rzadkich w ramach własnych systemów zdrowotnych i szpitalnych. Niestety na mapie Europy jesteśmy jednym z nielicznych krajów, które do tej pory nie przygotowały takiego planu, mimo już 14-letniego upływu czasu.

Jeśli dobrze pamiętam, jako resort zdrowia intensywnie podjęliśmy próbę wypracowania tego planu ok. 3 lata temu. Został przygotowany pewien plan, zarys, strategia,

wizja dla chorób rzadkich, wypracowana oczywiście w gronie eksperckim. Wydaje mi się nawet, że trafiła ona pod obrady Stałego Komitetu Rady Ministrów, wtedy natomiast nie uzyskała akceptacji z uwagi na to, że dokument ten był zbyt ogólny, że nie niósł ze sobą pewnych szczegółów i ram finansowych, harmonogramu. Dokument nie był w prosty sposób wdrażalny i monitorowany. Był zbiorem bardzo słusznych postulatów tego, co chcielibyśmy osiągnąć w obszarze chorób rzadkich.

Podjęliśmy próbę nie tyle napisania tego planu na nowo, co jego odchudzenia, operacjonalizacji, napisania takiego planu, który będzie możliwy do wdrożenia, którego wdrożenie będzie możliwe do monitorowania, który będzie zawierał to, czego sami oczekujemy w strategiach, które w ostatnim czasie przygotowujemy w Ministerstwie Zdrowia, czyli konkretne zadania, konkretne terminy, wskazani realizatorzy, zapewniony budżet. W ten sposób przygotowaliśmy chociażby Narodową Strategię Onkologiczną. W podobny sposób przedstawiamy plan chorób rzadkich.

W kwestach technicznych czy organizacyjnych powiem jeszcze, że, jeśli dobrze pamiętam, w lutym tego roku skierowaliśmy plan do prekonsultacji. W ramach prekonsultacji, głównie ze środowiskiem eksperckim, ze środowiskami pacjenckimi, zostały przygotowane czy skierowane do nas pewne uwagi. Istotną część z nich zaadresowaliśmy w tym planie, ale żeby dochować wszystkich wymogów legislacyjnych, bo plan będzie przyjmowany uchwałą Rady Ministrów, obecnie toczą się już konsultacje formalne, zakładane przepisami prawa. Rozpoczęły się 28 kwietnia, a zakończą się 21 maja, czyli jesteśmy w dobrym momencie. Tu dziękuję panu przewodniczącemu za zorganizowanie posiedzenia Komisji, bo jest jeszcze czas na dyskusje i na to, żeby w planie ująć pewne kwestie.

Wydaje się jednak, że dzisiaj ten plan jest pewnym konsensusem, który wypracowaliśmy na poziomie środowisk eksperckich po stronie klinicystów i środowisk pacjenckich, bo organizacje pacjenckie bardzo aktywnie wspierały nas w przygotowaniu planu, nawet nie w opiniowaniu, tylko wprost w przygotowaniu, za co bardzo serdecznie dziękuję.

Sześć obszarów, które w tym planie chcemy zaadresować, to przede wszystkim powstanie ośrodków eksperckich chorób rzadkich. To jeden obszar, de facto jeden z ważniejszych, bo jest pełna zgodność co do tego, że to właśnie w tych ośrodkach powinna być realizowana zaawansowana profesjonalna diagnostyka chorób rzadkich, że ośrodki te powinny dysponować dostępem do nowoczesnych metod diagnostycznych, do wielkoskalowych badań genetycznych, że ośrodki te powinny określać standardy w zakresie leczenia pacjentów z chorobami rzadkimi.

Drugi obszar to diagnostyka chorób rzadkich. Tutaj jest upowszechnienie nowych metod i zapewnienie pewnego infrastrukturalnego wsparcia dla ośrodków referencyjnych.

Trzeci obszar, bardzo ważny, w którym adresujemy zadania w planie, to dostęp do leków w chorobach rzadkich. To bardzo trudny obszar z punktu widzenia formalnego, bo ustawa refundacyjna, przepisy, które dzisiaj funkcjonują dla terapii lekowych, często uniemożliwiają prowadzenie efektywnego procesu i oceny danej cząsteczki, a potem negocjacji przez Komisję Ekonomiczną, np. z tego powodu, że badania kliniczne są robione na bardzo wąskich populacjach. Chcemy tutaj wypracować inne metody zapewnienia dostępu do leków, inne metody oceny tych terapii, zarówno przez Agencję Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji, jak i przez ministra zdrowia.

Czwarty obszar, niezwykle ważny, to rejestr chorób rzadkich. Dzisiaj w Polsce niestety nie dysponujemy kompleksowym rejestrem pacjentów z chorobami rzadkimi. To zadanie chcemy zaadresować właśnie w tym obszarze.

Piąty i szósty obszar planu to obszary w pewnym sensie skierowane wprost do pacjentów. Pierwszy to paszport pacjenta z chorobą rzadką i zapewnienie jego pełnej dokumentacji medycznej i dostępu do tej dokumentacji poprzez rozwiązania informatyczne, którymi dzisiaj dysponujemy, przede wszystkim przez indywidualne konto pacjenta, oraz platforma informacyjna chorób rzadkich, obszar, który od początku założenia do jego wdrożenia przygotowały organizacje pacjenckie po to, żeby ułatwić pacjentom szybkie zorientowanie się czy szybką ścieżkę w zakresie diagnostyki i jak najszybszego trafienia do ośrodków eksperckich. Platforma informacyjna ma stanowić pigułkę, kompendium wiedzy zgromadzonej w jednym miejscu, pod nadzorem ekspertów i tych ośrodków, które będą aktywnie tę platformę współtworzyć.

Plan to również pieniądze i finansowanie. Koszty realizacji planów w trzyletnim horyzoncie szacujemy na 91 mln zł, ale, co warto podkreślić, środki dedykowane są głównie do obszarów związanych ze wzmocnieniem infrastruktury, do obszaru związanego ze stworzeniem rejestru, paszportu pacjenta i platformy informacyjnej. Środki, które, kolokwialnie mówiąc, będą szły za planem w obszarze dostępu do leków, to przede wszystkim środki, które będziemy wygospodarowywać w ramach Funduszu Medycznego. Szacujemy, że może to być do 750 mln zł rocznie, wprawdzie przeznaczonych nie na same choroby rzadkie, bo Fundusz Medyczny dotyczy również np. onkologii, ale ogromna czy wielokrotnie większa suma niż wynikająca z samego planu będzie dostępna w Funduszu Medycznym, jak również w Narodowym Funduszu Zdrowia. Jeżeli bowiem mówimy o obszarze diagnostyki chorób rzadkich i mówimy o kwestiach związanych z wdrożeniem nowoczesnych metod diagnostyki genetycznej, to faktycznie mówimy o wejściu tych procedur do koszyka świadczeń gwarantowanych i o finansowaniu w ramach środków bieżących czy środków wynikających z NFZ.

Przepraszam, rozpędziłem się. Bardzo słusznie zwrócono mi uwagę, że już w toku prekonsultacji, o czym nieco zapomniałem, zwiększyliśmy środki przede wszystkim w zakresie rejestru chorób rzadkich i w zakresie obszarów platformy i paszportu pacjenta. Dzisiaj to nie, jak powiedziałem, 91 mln zł, tylko ok. 129 mln zł jest tą kwotą, która na kolejnym etapie trafi pod obrady Stałego Komitetu Rady Ministrów.

Tak jak wspomniałem, plan jest strategią i zbiorem zadań do realizacji. W sześciu obszarach zdefiniowaliśmy, jeśli dobrze pamiętam, 34 czy 38 zadań do realizacji na trzy lata, zadań, w których dalej będziemy angażować i klinicystów, i osoby tworzące ten plan, i oczywiście organizacje pacjenckie, ale równocześnie zadań, które co do zasady będą realizowane przez czterech głównych realizatorów, czyli ministra zdrowia, NFZ, Centrum Zdrowia i Agencję Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji.

Z mojej oceny, obserwacji i kontaktów, które miałem podczas tworzenia tego planu, wynika, że plan ten został dobrze przyjęty i dobrze oceniony przez środowiska eksperckie jako pewien konsensus tego, co na dzisiaj możemy zrealizować. Mam nadzieję, że zostanie to potwierdzone również przez organizacje pacjenckie. Wierzę i jestem głęboko przekonany, że obszar chorób rzadkich, który zaadresujemy z jednej strony planem, z drugiej strony ekstra możliwościami Funduszu Medycznego, będzie istotną zmianą jakościową w obszarze chorób rzadkich.

To jasno pokazuje, że Ministerstwo Zdrowia traktuje ten obszar priorytetowo. Jestem przekonany, że już naprawdę niezwłocznie… Mówiłem to już kilka razy, ale prace nad planem w okresie pandemii, również dla nas, w Ministerstwie Zdrowia, z racji różnych wyzwań pandemicznych wcale nie okazały się łatwe. Mam nadzieję, że naprawdę już to finalizujemy i plan niezwłocznie trafi pod obrady Rady Ministrów, zostanie przyjęty i przystąpimy do jego realizacji, bo przed nami wszystkimi jest ciężka praca. Dziękuję, panie przewodniczący, dziękuję państwu.

Przewodniczący poseł Tomasz Latos (PiS):

Dziękuję bardzo, panie ministrze, za zwięzłe wprowadzenie do dyskusji, którą odbędziemy. Tytułem wyjaśnienia, które wydaje się niezbędne, powiem, panie ministrze, że myślę, że do dyskusji na ten temat wybraliśmy bardzo dobry moment, bo jeżeli miałyby być jeszcze jakieś korekty, to pewnie to jest chwila, kiedy ewentualnie będzie można łatwiej coś zrobić i poprawić.

Nie ukrywam, że na temat chorób rzadkich w polskim parlamencie dyskutuje się od lat. Na dobrą sprawę poza dyskusją nic się nie odbywało. Dlatego bardzo cieszę się i bardzo dziękuję, że państwo, wcześniej pan minister, pan minister Król, który nad tym pracował, zajęliście się tym tematem, że został stworzony zespół i były przeprowadzone prace, które, miejmy nadzieję, dokonają przełomu w tym zakresie. Temat stał się dość modny w różnego rodzaju debatach i konferencjach. Patrzę na pana posła Kowala. My też w takich debatach uczestniczyliśmy i nawet jedną z konkluzji było właśnie to, że warto zająć się tą tematyką właśnie na posiedzeniu Komisji Zdrowia, tak że dziękuję, panie pośle, za dostrzeganie tego problemu.

Szanowni państwo, mam następującą propozycję. Temat jest specyficzny, powiedziałbym wręcz, że ekspercki, więc sądzę, że dobrze byłoby teraz głos oddać ekspertom, którzy krótko powiedzą na temat chorób rzadkich. Osoby, które pracowały z panem ministrem w zespole… Tytułem wyjaśnienia dodam od razu, że nie wszystkie te osoby są od początku. Czekam i pewnie już lada chwila dołączy pani prof. Chrzanowska, która była przewodniczącą tego zespołu. Akurat dzisiaj, może to dobry zbieg okoliczności, otwierana jest część dotycząca właśnie chorób rzadkich w Centrum Zdrowia Dziecka. Bardzo dobrze, że akurat dzisiaj mamy posiedzenie Komisji i ładnie to się tematycznie łączy, tym niemniej pani profesor na początku jeszcze nie ma. Będzie później. Jak do nas dołączy, udzielę jej głosu.

Mam następującą propozycję. Najpierw będą krótkie, myślę, że kilkuminutowe, wypowiedzi ekspertów. Jak dołączy pani prof. Chrzanowska, jej też oddamy głos. Później będą wypowiedzi parlamentarzystów, pytania do pana ministra i do ekspertów, a później pozostali goście. Są różne organizacje pacjenckie, które się zgłosiły, może z jednym wyjątkiem. Nad planem dla chorób rzadkich w imieniu pacjentów pracował też pan prof. Maćkowiak, więc jego też prosiłbym o zabranie głosu w pierwszej części. Proszę, jak powiedziałem, o krótkie wypowiedzi, ponieważ pan minister ma dzisiaj dość ograniczony czas, a chcielibyśmy, żeby był z nami do końca.

Na początek, bardzo proszę, pani prof. Olga Haus, przewodnicząca Polskiego Towarzystwa Genetyki Człowieka. Bardzo proszę.

Przewodnicząca Polskiego Towarzystwa Genetyki Człowieka Olga Haus:

Bardzo dziękuję za głos. Panie przewodniczący, panie ministrze, Wysoka Komisjo, jako przewodnicząca Polskiego Towarzystwa Genetyki Człowieka, które skupia prawie wszystkich polskich genetyków zajmujących się chorobami genetycznymi, zarówno od strony klinicznej, jak i od strony diagnostycznej, chciałabym przede wszystkim wyrazić radość z tego, że ustawa powstała, powstaje i jest finalizowana. Mamy nadzieję, że niedługo wejdzie w życie. Dla nas wszystkich jest to bardzo radosna chwila.

Może dla przypomnienia powiem, co to są choroby rzadkie. To ciężkie i przewlekłe choroby, których częstość w Europie według definicji wynosi co najwyżej 1 na 2000 mieszkańców danej populacji. To jest częstość każdej pojedynczej choroby, ale sumarycznie stanowią 6 do 8% całej populacji, czyli w Polsce przekłada się to na 2, 3 mln ludzi, czyli jest to olbrzymi problem, zarówno zdrowotny w społeczeństwie, jak i problem społeczny, problem integracji wszystkich ludzi z chorobami rzadkimi. 80% chorób rzadkich to choroby o podłożu genetycznym, stąd tutaj nasza obecność i bardzo żywy udział genetyków w całym tym programie.

Jedną z najważniejszych spraw, kto wie, czy nie najważniejszą sprawą, jeżeli chodzi o choroby rzadkie, jest diagnostyczne wykluczenie pacjentów z chorobami rzadkimi. O co tutaj chodzi? O ile chorzy z powszechnymi chorobami mają bardzo łatwy dostęp do diagnostyki, a testy są stosunkowo tanie i robi się je dosyć masowo, o tyle chorzy z chorobami rzadkimi nie mają tak łatwego dostępu. Przez to choroby rzadkie są nazywane również chorobami sierocymi, dlatego że nie interesują się nimi i nie chcą się nimi zająć ani lekarze różnych specjalności, ani firmy farmaceutyczne, tak że chorzy przechodzą całą odyseję diagnostyczną – tak to nazywamy – błąkają się od jednego specjalisty do drugiego i wykonują dziesiątki badań, które najczęściej są do niczego niepotrzebne i nie przybliżają diagnozy. To są różne badania, np. badania obrazowe itd. Czasami kosztują tysiące złotych. W grę wchodzą również zupełnie proste, tradycyjne badania genetyczne, które też nie dają odpowiedzi na pytanie o każdą chorobę rzadką, czyli nie są właściwym narzędziem do rozwiązania problemu diagnostycznego w każdej chorobie rzadkiej.

Oczywiście sytuację może zmienić dostępność nowoczesnych metod całogenomowych badań pacjentów, natomiast one musiałyby być dostępne. Powiedzmy sobie, że genetycy w laboratoriach są jak najbardziej przygotowani do stosowania tych metod, jeżeli uda się zdobyć finanse. Te metody są stosowane, natomiast ciągle jest problem refundacji. Badania kosztują, powiedzmy, że cytogenetyczne i molekularne, od 2 do 5,5 tys. zł, czyli z punktu widzenia ogólnych funduszy medycznych nie są to tak drogie badania, ale

z punktu widzenia pacjentów są to bardzo drogie badania. Koszty te wydają się wysokie, ale jeżeli zsumowalibyśmy koszt wszystkich badań niegenetycznych i prościutkich badań genetycznych, okazałoby się, że ich koszt znacznie przewyższy 5 tys. zł, czyli te koszty, które płaciłoby się za badanie całego genu, czyli badanie WES. Przy czym badania całogenomowe dają odpowiedź na większość pytań, które stawiamy, przeprowadzając diagnostykę danego pacjenta z chorobą rzadką, tak że to jest dobry środek do rozpoznania choroby rzadkiej.

Rozpoznania takie i zlecenia takich badań można stawiać nie tylko w ośrodkach eksperckich. Każdy genetyk jest przygotowany do stawiania takich pytań, do kierowania na badania i do wykonywania takich badań. Są to więc nie tylko ośrodki eksperckie, ale i poradnie genetyczne, a także laboratoria diagnostyczne, oczywiście rekomendowane przez odpowiednie ośrodki. Jak najszybsze wprowadzenie nowoczesnej diagnostyki i objęcie jej refundacją NFZ pozwoliłoby na osiągnięcie przez pacjentów szybkiej ścieżki diagnostycznej i oszczędzenie im wielokrotnych wizyt w jednostkach służby zdrowia, a służba zdrowia też oszczędziłaby na nadmiernych kosztach, zupełnie niepotrzebnych w przypadkach takiej diagnostyki.

Niestety dopóki nie ma refundacji, chorzy są skazani na odyseję diagnostyczną. Mało kogo z pacjentów stać na prywatne wykonywanie takich badań, czyli wydanie kilku tysięcy złotych. Ci, których stać, robią je sami, a ci, których nie stać, latami czekają na postawienie właściwej diagnozy. To również stwarza nierówności w samej grupie chorych z chorobami rzadkimi, nie tylko pomiędzy chorymi z chorobami rzadkimi i chorymi z powszechnymi chorobami, ale również w obrębie grupy chorób rzadkich. Ci, którzy mają pieniądze, kupią sobie badania, a ci, którzy pieniędzy nie mają, niestety sobie nie kupią. Dlatego to powinno być refundowane.

Wszystkim należy się właściwa diagnostyka i wobec tego czekamy na jak najszybsze objęcie nowoczesnych badań diagnostyki genetycznej refundacją, co powinno zaowocować szybszym postawieniem diagnozy, a co za tym idzie adekwatną opieką medyczną nad tymi chorymi, a przez odpowiednią opiekę medyczną także odpowiednim leczeniem, jak również pełniejszą integracją chorych z chorobami rzadkimi w społeczeństwie. To w zasadzie tyle. Dziękuję bardzo.

Przewodniczący poseł Tomasz Latos (PiS):

Dziękuję bardzo, pani profesor. Teraz o zabranie głosu poproszę panią prof. Latos-Bieleńską. Bardzo proszę.

Kierownik Katedry i Zakładu Genetyki Medycznej w Poznaniu Anna Latos-Bieleńska:

Panie przewodniczący, panie ministrze, Wysoka Komisjo, bardzo dziękuję za możliwość zabrania głosu. Również dołączam się do podziękowań prof. Haus za to, że Narodowy Plan dla Chorób Rzadkich powstaje i jest wdrażany. Był on bardzo wyczekiwany przez pacjentów. Był też bardzo wyczekiwany przez lekarzy, wśród lekarzy chyba najbardziej przez lekarzy genetyków, dlatego że 80% chorób rzadkich to choroby genetyczne.

Jeśli szacuje się, że 6 do 8% populacji choruje na chorobę rzadką, to w naszym kraju żyje ok. 2,5 mln osób z chorobą rzadką. Nasuwa się jednak pytanie o to, gdzie oni wszyscy są. Nie widzimy ich, bo większość z nich nie ma rozpoznania. Nie ma rozpoznania z tych powodów, o których już powiedziała prof. Olga Haus. Oni krążą w systemie ochrony zdrowia pod różnymi nieprawidłowymi, niewłaściwymi rozpoznaniami i tym samym nie mają właściwej opieki medycznej. Jest to wielkie obciążenie dla tych chorych, dla ich rodzin i generuje to bardzo duże, a niepotrzebne koszty dla systemu ochrony zdrowia.

Poprawa diagnostyki, zwłaszcza diagnostyki genetycznej, to zatem najważniejszy punkt planu. Mówię to z uwagą, że diagnostyka powinna być nie tylko w ośrodkach eksperckich. Jest ona przecież prowadzona w poradniach genetycznych. W całej Polsce w poradniach genetycznych lekarze genetycy potrafią rozpoznawać choroby rzadkie i po skierowaniu, po rozpoznaniu choroby rzadkiej oczywiście skierują do odpowiedniego ośrodka eksperckiego do całożyciowej opieki nad pacjentem.

Jest jeszcze jedna przyczyna tego, że nie widzimy pacjentów z chorobami rzadkimi i w ogóle nie wiemy, ilu ich jest. To jest właśnie brak rejestru dla większości chorób rzadkich. Bardzo cieszę się, że Narodowy Plan dla Chorób Rzadkich ma to zmienić. Rejestr

ten jest bardzo ważny. On jest właściwie zawsze tam, gdzie powstaje Narodowy Plan dla Chorób Rzadkich. Taki rejestr jest sercem całego planu. Rejestr jest ważny dla pacjentów, jak również dla klinicystów, dla naukowców, dla organizatorów służby zdrowia, nawet dla przedsiębiorców i oczywiście dla rządzących.

Bardzo ważne jest tutaj współdziałanie z organizacjami pacjentów. Rejestr został zaplanowany tak, żeby spełniał szereg funkcji: nie tylko epidemiologiczną i organizacyjną, ale także kliniczną, naukową i społeczną.

Tworzenie rejestrów chorób rzadkich jest trudne. W krajach UE rejestry powstają bardzo wolno. Chciałabym powiedzieć, że po wdrożeniu Narodowego Planu dla Chorób Rzadkich Polska ma szanse być liderem w obszarze rejestrów, dlatego że w Polsce są wyjątkowe warunki dla utworzenia rejestru chorób rzadkich. Przede wszystkim jest jeden płatnik publiczny, jakim jest NFZ. W centrum zdrowia jest platforma P1 i jest wreszcie Polski Rejestr Wrodzonych Wad Rozwojowych. Rejestr ten prowadzony jest od 25 lat na Uniwersytecie Medycznym w Poznaniu, obejmuje cały kraj i jest największym rejestrem wad Unii Europejskiej. Wielokrotnie potwierdził swoją przydatność, ma liczne zadania, przede wszystkim stale monitoruje ewentualne zagrożenia mutagenne i teratogenne i bada przyczynę wad wrodzonych, ale ponieważ 20 do 25% procent chorób rzadkich jest związanych z wadami wrodzonymi, siłą rzeczy rejestr ten jest również rejestrem dla tej grupy chorób rzadkich.

Aktualnie dzięki temu rejestrowi mamy w Polsce informacje już o 15 tys. dzieci z rzadkim zespołem wad i o 40 tys. dzieci z pojedynczą wadą wrodzoną, która należy do chorób rzadkich. Przykładem takiej właśnie wady wrodzonej, która jest zarazem chorobą rzadką, jest rozszczep kręgosłupa. Dzięki rejestrowi wiemy, że w Polsce aktualnie rodzi się ok. 120 dzieci z rozszczepem kręgosłupa.

Chciałabym zwrócić szczególną uwagę na tę wadę, na tę chorobę rzadką, bo jest to choroba ciężka. 90% osób z rozszczepem kręgosłupa nie może chodzić, musi korzystać z wózka inwalidzkiego i ma tzw. pęcherz neurogenny, a przez to nie może w sposób naturalny oddawać moczu i co kilka godzin musi się cewnikować. Bardzo ważny jest rodzaj cewnika. Pacjenci i ich rodzina, a także dr Piotr Gastoł, konsultant krajowy urologii dziecięcej, i Medyczna Racja Stanu apelują o pełną refundację cewników hydrofilowych. Aktualne rozporządzenie mówi, że pacjent ma dopłacać 30%.

Nasuwa się refleksja, że postęp w opracowywaniu terapii dla chorób rzadkich, w tym terapii genowej, jest wielką nadzieją dla chorych. Z wielką nadzieją obserwujemy przecież spektakularne efekty terapii rdzeniowego zaniku mięśni, ale nie można przy tym zapominać o chorobach rzadkich, w których czasem bardzo potrzebne są bardzo proste środki, jak np. wspomniany właściwy cewnik. Dzięki temu znacząco poprawiają one jakość życia osoby chorej.

Zwróciłabym się z gorącą prośbą, żeby decyzja o pełnej refundacji cewników hydrofilowych była widomym znakiem, że Narodowy Plan dla Chorób Rzadkich już teraz pacjentom z chorobami rzadkimi zaczyna przynosić zmiany na lepsze. Dziękuję bardzo.

Przewodniczący poseł Tomasz Latos (PiS):

Dziękuję uprzejmie. Teraz o zabranie głosu proszę pana prezesa Stanisława Maćkowiaka, również członka wspomnianego przeze mnie zespołu. Bardzo proszę.

Skoro nie ma pana prezesa, a zakładam, że jest pani prof. Chrzanowska… Otrzymuję wiadomość, że chyba jeszcze się z nami nie połączyła. W takim razie teraz oddam głos parlamentarzystom. Pierwszy zgłosił się pan poseł Hardie-Douglas. Bardzo proszę, panie pośle.

Poseł Jerzy Hardie-Douglas (KO):

Dzień dobry państwu. Krótko referując przykład refundacji konkretnego leku, chciałbym – mam nadzieję, że po wyjaśnieniach pana ministra – zrozumieć aktualne podejście do leczenia chorób rzadkich. Jest taka rzadka choroba, nazywa się nocna napadowa hemoglobinuria, w skrócie PNH. Szacuje się, że w Polsce choruje na nią 60, 70 osób. Obecnie podstawowym lekiem w leczeniu PNH jest ekulizumab, a lek nazywa się Soliris. Warto wspomnieć, że lek jest też stosowany w przypadku leczenia zespołu hemolityczno-mocznicowego.

23 kwietnia ukazał się komunikat ministra zdrowia w sprawie refundacji produktu leczniczego Soliris w leczeniu nocnej napadowej hemoglobinurii. Lek ten był refundowany chyba od 2018 r. Z komunikatu wynika, iż wobec braku chęci obniżenia ceny leku przez producenta ministerstwo z dniem 1 maja 2021 r. wycofało się z refundacji leku u chorych z nocną napadową hemoglobinurią. Dalej w komunikacie czytamy: „Warto podkreślić, że pacjenci, którzy rozpoczęli terapię ze stosowaniem leku Soliris, będą mogli ją kontynuować. Aby to było możliwe, producent powinien złożyć wniosek do prezesa Narodowego Funduszu Zdrowia o dalsze finansowanie terapii wskazanym lekiem, zgodnie z art. 27 ustawy z dnia 14 sierpnia 2020 r. o zmianie niektórych ustaw w celu zapewnienia funkcjonowania ochrony zdrowia w związku z epidemią COVID-19 (…). Za zgodą ministra zdrowia, wydaną na wniosek prezesa Narodowego Funduszu Zdrowia, terapia może być finansowana przez NFZ na dotychczasowych warunkach”.

W związku z tym zwracam się do pana ministra z pytaniami. Co mają zrobić pacjenci, którym przerywa się terapie właściwie jedynym skutecznym lekiem, ekulizumabem, w przypadku gdy producent leku nie złoży wniosku o dalsze finansowanie terapii? Czy nie zaszła pomyłka w tekście komunikatu? Pytam, ponieważ wydaje mi się, że zgodnie z artykułem, który cytowałem, ustawy o zmianie niektórych ustaw w celu zapewnienia funkcjonowania ochrony zdrowia w związku z epidemią itd. to pacjent, a nie producent, powinien złożyć wniosek do prezesa NFZ. Cytuję bowiem ten artykuł: „Jeżeli dany lek traci refundację, a nie ma innej alternatywy leczenia, pacjenci, którzy do tej pory byli leczeni, będą mieć zapewniony dostęp do leków aż do ukończenia terapii, ale nie dłużej niż przez okres roku od dnia zakończenia obowiązywania decyzji o objęciu refundacją leku”. Chcę powiedzieć, że tutaj jest leczenie, które trwa do końca życia.

Ostatnie pytanie: Dlaczego ministerstwo wycofuje się z refundacji w przypadku chorych na PNH, a nie robi tego u chorych na tzw. aHUS, czyli zespół hemolityczno-mocznicowy, również chorobę rzadką, która jest leczona tym samym lekiem? Dziękuję bardzo.

Przewodniczący poseł Tomasz Latos (PiS):

Uprzejmie dziękuję. Jest kilka kolejnych zgłoszeń. Ponieważ, jak sygnalizuje, pan poseł Zimoch chce zabrać głos w tej samej sprawie, proszę, panie pośle, o krótką wypowiedź poza kolejnością. Bardzo proszę.

Poseł Tomasz Zimoch (Polska2050) – spoza składu Komisji:

To teraz wypowiem się w tej sprawie, a później, w kolejce, znowu poproszę o głos. Bardzo cieszę się, że mój kolega z ław sejmowych, pan dr Jerzy Hardie-Douglas poruszył ten temat. W kwietniu, kiedy cała sprawa stała się głośniejsza, zgłosiłem w ministerstwie pisma. Wystąpiłem z interwencją poselską do pana ministra Macieja Miłkowskiego. Nawet nie słyszałem, że istnieje taka choroba jak nocna napadowa hemoglobinuria, choroba ciężka, która bez stosowania leku jest wręcz chorobą śmiertelną. Wszystko dlatego, że napisała do mnie jedna z pacjentek: „Błagamy o pomoc, interwencję, bo odebranie leku Soliris i pozostawienie nas, chorych bez dostępu do leczenia będzie oznaczało dla nas wyrok śmierci”.

Dobrze się stało, że w ostatnich godzinach kwietnia wydano odpowiednie zarządzenia i na podstawie ustawy covidowej terapia dla osób objętych leczeniem Solirisem została przedłużona o rok. Co jednak będzie działo się z pacjentami, u których choroby tej do dzisiaj nie zdiagnozowano? Jak w związku z planem chorób rzadkich przebiega cały plan związany z nocną napadową hemoglobinurią? Czy do 1 lipca, kiedy znowu będzie przedstawiona lista leków refundowanych, będą zakończone rozmowy między ministerstwem a producentem leku, amerykańską firmą Alexion, by ten lek, jeden z najdroższych leków świata, powrócił na listę leków refundowanych?

Panie ministrze, czy orientuje się pan, jak w tej chwili przebiegają negocjacje, jeśli chodzi o drugi lek, który mógłby być stosowany przy leczeniu nocnej napadowej hemoglobinurii, Ultomiris, lek, który został już zgłoszony przez firmę Alexion, by pacjentów nie pozostawić samych sobie? Powiadam, to grupka mniej więcej tylko 50 pacjentów w Polsce. Nie można pozostawić ich samych sobie. Po pierwsze nie mogą czuć się niepewni, że terapię przedłużono im tylko o rok, a po drugie, nie może być takiej sytuacji, że u nowo zdiagnozowanych osób z tą chorobą terapia nie będzie mogła być zastosowana.

Pytam więc przede wszystkim o to, w jakiej fazie są rozmowy negocjacyjne z firmą. Czy Soliris wróci na listę leków refundowanych? Co z Ultomirisem? Z sejmowych ław błagam o pomoc w imieniu chorych na nocną napadową hemoglobinurię. Dziękuję bardzo.

Przewodniczący poseł Tomasz Latos (PiS):

Dziękuję bardzo. Nie chciałem panu posłowi przerywać, ale pewną rzecz muszę tutaj skomentować. Pozwólcie państwo. Dwie sprawy. Po pierwsze, następne osoby, które będą się wypowiadać, być może osoby z różnych organizacji pacjenckich, bardzo proszę, by posługiwały się nazwami chemicznymi leków. Nie mówmy o konkretnych firmach, żeby nikt nie mógł podejrzewać jakiegokolwiek uczestnika dzisiejszego posiedzenia Komisji o swego rodzaju lobbing na rzecz określonej firmy. Mówmy więc o nazwach chemicznych, a nie mówmy o producentach. Wiąże się z tym zresztą kwestia publicznego dopytywania o przynajmniej częściowo albo całkowicie niejawne negocjacje, które są prowadzone, bo znowu chodzi dokładnie o to samo. Powiedzmy jasno, że tak naprawdę chodzi o per saldo setki milionów złotych, więc drgnięcie o 1% to są też miliony złotych. To jest pierwsza sprawa.

Druga uwaga, o którą gorąco wszystkich państwa proszę, jest taka, że mamy pewną ogólną dyskusję na temat ogólnych kierunków, które są przyjęte, jeżeli chodzi o plan dla chorób rzadkich. Mamy ogromną okazję, aby w skutek tej dyskusji pan minister wraz z zespołem mógł na tym etapie zaproponować ewentualną korektę. Obiecuję państwu, że gdy plan dla chorób rzadkich będzie już wdrożony, będziemy mogli zrobić kolejne posiedzenie Komisji, na którym będziemy mówić o ogólnych jednostkach chorobowych i poszczególnych lekach. Teraz skorzystajmy z możliwości, że systemowo to będzie jak najlepiej zorganizowane. Tyle z mojej strony.

Pierwsza zgłaszała się pani poseł Dziuk. Nie zauważyłem pani na liście. Bardzo proszę, pani poseł, oddaję głos.

Poseł Barbara Dziuk (PiS):

Panie przewodniczący, panie ministrze, Wysoka Komisjo, pozdrawiam jeszcze ze szpitala. Cały czas dochodzę do zdrowia, ale wszystko jest na dobrej drodze. Jak zakończyłam prace w Komisji Zdrowia, tak również powrót do zdrowia i do czynnej pracy posła zaczynam od Komisji Zdrowia, tak że, panie przewodniczący, bardzo serdecznie wszystkich pozdrawiam.

Przewodniczący poseł Tomasz Latos (PiS):

My również pozdrawiamy panią poseł. Życzymy zdrowia.

Poseł Barbara Dziuk (PiS):

Z wielką wdzięcznością i podziwem za konsekwencję obserwuję i wspieram prace Ministerstwa Zdrowia, których finał obserwujemy dzisiaj w przedstawionych rozwiązaniach organizacyjnych i finansowych dla chorób rzadkich. To plan konkretny, bo profesjonalna pomoc dla pacjentów musi być właśnie konkretna, a nie werbalna.

Dwa lata temu wspólnie z posłami podjęłam dialog z organizacjami pacjentów, z rodzicami, którzy opiece nad swoimi chorymi dziećmi poświęcają całe życie. To wtedy zorganizowaliśmy w Sejmie wystawę „Rzadko spotykani", by przerwać trwające ponad dekady milczenie otaczające choroby rzadkie.

Dziękuję ekspertom. Dziękuję panu przewodniczącemu Komisji Zdrowia, jak również ministerstwu za wsparcie merytoryczne dla Parlamentarnego Zespołu ds. Chorób Rzadkich. Zaproponowaliśmy nowy model jego pracy oparty na systematycznej analizie potrzeb chorych w zakresie fizjoterapii, rehabilitacji, farmakologii, opieki społecznej. Dziś posiedzenia i spotkania eksperckie uczestników zespołu parlamentarnego odbywają się w trybie ciągłym. Jesteśmy wsparciem zarówno dla komisji, jak i dla ministerstwa.

Pragnę zapewnić, że będę przedstawiać wnioski zespołu parlamentarnego z tych obszarów. Celem jest uporządkowanie wszystkich elementów opieki nad pacjentami, od spraw codziennego zabezpieczenia bytowego i medycznego, przez zredukowanie obowiązków administracyjnych dla tej grupy chorych, aż do profesjonalnej analizy nowych terapii, tych, które dają nadzieję na wyleczenie. Na szczęście dzięki postępom nauki i ekspertom terapie pojawiają się.

Tak jak powiedziałam, pragnę podziękować rządowi, panu ministrowi za stworzenie ram organizacyjnych i finansowych dla powstania nowoczesnego systemu leczenia chorób rzadkich. Wiele jest jeszcze przed nami, ale cieszę się, że ten dialog jest, że możemy na posiedzeniu Komisji Zdrowia wspólnie analizować i współpracować dla dobra pacjenta, bo przecież pacjent jest najważniejszy i komfort życia również jest najważniejszy, o czym przekonałam się nie tak dawno.

Podsumowując moją wypowiedź, nie chcę stawiać pytań, bo pan minister wie, ile rzeczy trzeba jeszcze zrobić, ma konkretną wizję. Chcę tylko podkreślić, że rzadko spotykani nie mogą być zapomniani. Przykładem tego jest dzisiejsze posiedzenie Komisji Zdrowia, za co bardzo dziękuję panu przewodniczącemu. Jestem zawsze do dyspozycji. W tym zakresie i w tej dziedzinie będę również wspierać i pomagać, żeby rozwiązania były dobre. Pozdrawiam.

Przewodniczący poseł Tomasz Latos (PiS):

Dziękuję bardzo. Dziękuję uprzejmie. Proszę państwa o nieco krótsze wypowiedzi, dlatego że czas mamy jednak ograniczony. Bardzo proszę, pani poseł Zawisza.

Poseł Marcelina Zawisza (Lewica):

Szanowny panie przewodniczący, szanowny panie ministrze, chyba mnie nie widać, ale mam nadzieję, że mnie słychać.

Przewodniczący poseł Tomasz Latos (PiS):

Nie widać pani poseł, ale dobrze panią słychać. Proszę kontynuować.

Poseł Marcelina Zawisza (Lewica):

W planie chorób rzadkich uwzględniono, i bardzo dobrze, tworzenie ośrodków eksperckich chorób rzadkich, które mają zapewnić kompleksową opiekę medyczną w chorobach rzadkich. Często bowiem pacjenci i pacjentki z tymi chorobami odbywają specyficzne odyseje diagnostyczne, gdzie zleca się im niepotrzebnie dużo badań. Wydłuża to czas do diagnozy i wdrożenia odpowiedniego leczenia i rehabilitacji.

Bardzo dobrze, że po wielu latach ministerstwo opracowuje plan chorób rzadkich, jednak proszę o doprecyzowanie, bo to jest trochę niejasne, co będzie działo się z chorymi po trafieniu do ośrodka eksperckiego. Jak ta ścieżka będzie wyglądała, poczynając od lekarza pediatry, tzn. od samego początku, od pierwszego kontaktu z lekarzem? Jak będzie przebiegało skierowanie do tego ośrodka i czy przewidziane są działania edukacyjne dla lekarzy, którzy są lekarzami pierwszego kontaktu, żeby uwrażliwić ich na rzadkie choroby, żeby jak najtrafniej i jak najszybciej kierowali swoich pacjentów i pacjentki do ośrodków pacjenckich? Jak będzie wyglądała ich ścieżka już później, w samym ośrodku eksperckim? Prosiłabym o skupienie się bardziej na tej pierwszej części, tzn. na etapie od lekarza pediatry do ośrodka eksperckiego.

Jest ogromna prośba o odpowiedź na to, czy są uwzględnione jakieś szkolenia dla e-lekarzy. Dziękuję bardzo.

Przewodniczący poseł Tomasz Latos (PiS):

Dziękuję uprzejmie. Pani poseł Krystyna Skowrońska, proszę uprzejmie.

Poseł Krystyna Skowrońska (KO):

Panie przewodniczący, panie ministrze, swoje dzisiejsze wystąpienie rozpocznę od złożenia życzeń z okazji Międzynarodowego Dnia Pielęgniarek i Położnych. Składam najserdeczniejsze życzenia. Bez was, panie i panowie pielęgniarze i pielęgniarki, położne, czy położni, nie wiem…

Przewodniczący poseł Tomasz Latos (PiS):

Bardzo słuszna uwaga. Jeżeli pani poseł pozwoli, myślę, że wszyscy dołączamy się do tych życzeń. Dziękuję bardzo. W imieniu całej Komisji dołączamy się do życzeń, o których wspomniała pani poseł. Proszę uprzejmie dalej.

Poseł Krystyna Skowrońska (KO):

Zatem pozwolę sobie, skoro pamiętałam, złożyć państwu życzenia w tym trudnym czasie. Bez wsparcia tej grupy zawodowej, pielęgniarek i położnych, nie dalibyśmy sobie

rady. Pani poseł Dziuk pewnie przyłączyła się dzisiaj do tych życzeń, skoro głos zabierała ze szpitala. Rozumiemy, że w tym wszystkim wszyscy pracownicy ochrony zdrowia zasługują na nasze najwyższe słowa uznania.

Jestem wdzięczna za posiedzenie i jestem wdzięczna za wszystkie głosy profesorów ekspertów w tej sprawie. Nie będę wymądrzać się nad tym, na czym się nie znam, ale będę zadawała takie pytania, na których się znam. Załóżmy, że znamy się albo większość z nas zna się na pieniądzach i na zabezpieczeniu potrzeb, a zatem: Na początku pan minister powiedział, że Fundusz Medyczny w 2021 r. to kwota przeznaczenia na choroby rzadkie wynosząca ok. 750 mln zł. Chciałabym zapytać, ile pieniędzy z Funduszu Medycznego za 2020 r. było przeznaczonych na choroby rzadkie.

W wypowiedziach ekspertów dotyczących właściwego rozpoznawania chorób genetycznych, poprawy diagnostyki i tego, ile jest chorób rzadkich, to wszystko pewnie nas zadowala. Chciałabym jednak zapytać, czy Agencja Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji… Ile z grupy leków, o które wnoszą środowiska eksperckie, zostało uwzględnionych jako wsparcie, jako leki, które podlegają refundacji, a zatem które badania są badaniami, które pacjenci mogą przeprowadzić?

W tym zakresie pytam po pierwsze, o to, ile indywidualnych wniosków o wsparcie na leczenie chorób rzadkich zastosowano w NFZ, opłacając leczenia. Ile indywidualnych wniosków trzeba było rozpatrywać na dzisiaj, jeśli pan minister ma taką informację, w bieżącym roku, poza normalną procedurą obejmowania grupy chorób rzadkich, które będą objęte wsparciem refundowania leków? Ile tych wniosków było, jakich chorób dotyczyły i jaka była kwota wsparcia?

Jeszcze ważniejsze pytanie jest o to, czy i ile, albo dla jakich chorób rzadkich, nie ma wsparcia ze strony NFZ czy w ramach ogólnej procedury przy indywidualnym wniosku dotyczącym wsparcia. Myślę, że to jest dzisiaj rzeczą najważniejszą. Jeśli tych chorób jest więcej i trzeba byłoby je wymieniać, poprosiłabym o udzielenie odpowiedzi na piśmie.

Dzisiaj sformułowałam bardzo niewiele pytań, a zatem panu ministrowi będzie łatwo opowiedzieć na postawione pytania. Myślę, że obojętne jest mi, czy przekaże pan to na sekretariat, czy pan przewodniczący przekaże mi i wszyscy członkowie zapoznają się z odpowiedzią, czy otrzymam tę odpowiedź indywidualnie.

To są zatem rzeczy najważniejsze. Ważne, żebyśmy się tym zajmowali. Jeżeli są argumenty, to ważne jest, które z chorób nie mają leków refundowanych, nie są objęte ogólnym leczeniem oraz na co mogą liczyć pacjenci. To są moje pytania.

Cały dzień będę składała życzenia pielęgniarkom, pracownicom i położnym. Ostatnie zdanie. Nie zapomnijmy, gdy będziemy rozmawiali o wynagrodzeniach pracowników ochrony zdrowia. Dziękuję bardzo.

Przewodniczący poseł Tomasz Latos (PiS):

Dziękuję bardzo, pani poseł. Od razu śpieszę z informacją dla pani poseł, że chorób rzadkich jest ok. 6 tys., a więc odpowiedź dotycząca 6 tys. różnych jednostek chorobowych byłaby pewnie niewykonalna. Rozumiem, że chodzi o pewne pogrupowanie i ewentualnie o nieco bardziej ogólne informacje.

Poseł Krystyna Skowrońska (KO):

Tak, oczywiście.

Przewodniczący poseł Tomasz Latos (PiS):

Bardzo proszę, pan poseł prof. Wojciech Maksymowicz. Proszę uprzejmie.

Poseł Wojciech Maksymowicz (niez.):

Dzień dobry. Panie przewodniczący, panie ministrze, Wysoka Komisjo, pani poseł wyprzedziła w życzeniach i mnie, i pana przewodniczącego. Oczywiście przyłączam się do nich. Pielęgniarki i położne są ofiarną, lecz nie zawsze docenianą podporą naszego systemu. To już jest przewlekła choroba, bynajmniej nie sieroca.

Jeżeli chodzi o meritum sprawy, najpierw chciałem wyrazić słowa uznania dla ekspertów, którzy wspólnie doprowadzili do tego, żeby taki temat pojawił się na stole Komisji, a także komisji rządowej. To jest bardzo cenne. Rzeczywiście jest pewne zapuszczenie. Dobrze, że teraz Sejm i rząd podejmują te sprawy.

Chciałem tylko zwrócić uwagę na jeszcze jeden aspekt specyfiki sierocości tych chorób, a mianowicie na to, że są one na tyle rzadkie, że typowe dla farmakoekonomii dowody naukowe w postaci ogromnych liczb osób w badaniach klinicznych nie sprawdzają się. Była o tym mowa w exposé ministra Gadomskiego, ale dla AOTMiT warto podkreślić, żeby w sytuacji chorób rzadkich opracować nieco inne podejście, inną procedurę, typową właśnie dla małych liczb przeprowadzanych badań. To są często kilkunasto i kilkudziesięcioosobowe grupy chorych. Również randomizowanie jest tutaj dosyć trudne, dlatego że jest to kwestia etycznego wyboru, czy nie wiedząc, że coś może pomagać, lepiej na pewno nie podawać i podawać placebo. Przy tak małych liczbach są to bardzo trudne wybory.

Na pewno powinna więc mieć miejsce pewna specyfika podejścia również we współpracy z ekspertami. Mówię to na podstawie doświadczenia z chorymi ze stwardnieniem bocznym zanikowym. Ta populacja jest mniej więcej poniżej 2 osób na 100 tys. mieszkańców. To bardzo postępująca choroba, która…,…dziedziczone ma potwierdzone tylko u 10%. Jest to na pewno defekt, ale raczej nabyty. Niejasne są mechanizmy działania, stąd ciągle nie ma skutecznego leczenia. Stąd przychylność rządowych agencji, które jednak z drugiej strony pamiętają, że wynikiem ich decyzji są konsekwencje finansowe. Tu zawsze musimy uważać. Dobrze, że zajmujemy się tym w tej chwili. Dziękuję bardzo.

Przewodniczący poseł Tomasz Latos (PiS):

Bardzo dziękuję. Pan poseł Paweł Kowal. Wspomniałem, że z panem prof. Kowalem uczestniczyliśmy w debatach dotyczących właśnie chorób rzadkich. Panie pośle, oddaję panu głos. Proszę bardzo.

Poseł Paweł Kowal (KO):

Dziękuję bardzo. Tak, należy powiedzieć, że w środowisku Medycznej Racji Stanu od kilku lat mówiliśmy o tym jako o jednej z najważniejszych rzeczy. Nie będę skupiał się na sprawach ściśle medycznych, dlatego że nie jest to moja domena. Zwrócę uwagę na kilka społecznych aspektów chorób rzadkich.

Po pierwsze, zawsze postulowaliśmy inne podejście, dlatego że w chorobach rzadkich jest ta szczególna rola losu, a w związku z tym szczególna też rola instytucji państwowych, społeczeństwa, a w związku z tym też etyczne zobowiązanie, co podkreśla w swoich dokumentach m.in. Stolica Apostolska. Dyskutowaliśmy o tym także z przedstawicielami Stolicy Apostolskiej, zwracając uwagę na to, że mamy etyczne zobowiązanie do zadbania o pacjentów, u których wykryto choroby rzadkie.

Choroby te mają też taką specyfikę, że dużą rolę w propagowaniu wsparcia dla chorych odgrywają organizacje społeczne. W konkluzji doceniając i podkreślając dzisiaj, że wiele osiągnięć, jeśli chodzi o znalezienie środków na refundowanie leków, mają organizacje społeczne, dziennikarze, liderzy opinii, trzeba o nich wszystkich dzisiaj powiedzieć. Z tego miejsca chciałbym im podziękować, bo widzę, jak dużo dobrego stało się w tej sprawie właśnie dzięki propagowaniu wiedzy o chorobach rzadkich. Samorządy bardzo poważnie w to się włączyły. Ostatnio, przy okazji dni poświęconych chorobom rzadkim, widzieliśmy, jak samorządy wielkich i mniejszych miast pokazywały gesty solidarności, propagując wiedzę na ten temat wśród społeczeństwa.

Diagnostyka genetyczna to kluczowa sprawa. Mówiła o tym pani profesor. Refundacja jest tutaj sprawą najważniejszą.

Jeżeli chodzi o cewniki, o których było już powiedziane, chciałbym wesprzeć ten głos i powiedzieć, że 70% refundacji to za mało. Koszty leczenia i obsługiwania chorób rzadkich i pacjentów z chorobami rzadkimi często są bardzo duże, bardzo obciążające i trafiają szczególnie na biedniejsze rodziny.

Mam wątpliwości, czy środków z Funduszu Medycznego wystarczy na to, by na właściwym poziomie zadbać o chorych na choroby rzadkie, szczególnie że tendencja jest jednak taka, żeby umożliwiać im korzystanie z kolejnych procedur medycznych, umożliwiać im dostęp do kolejnych leków, które bywają bardzo drogie. Moje pytanie do pana ministra – na ile Fundusz Medyczny to uniesie, biorąc też pod uwagę zobowiązania, jeśli chodzi o pacjentów onkologicznych? Uważam, że tutaj powinniśmy w większym stopniu sięgnąć do Funduszu Odbudowy.

Powinniśmy myśleć także strategicznie, w kontekście przeznaczenia środków na to, co dzisiaj nazywa się medycyną szytą na miarę. W wielu sprawach w kontekście chorób rzadkich ona może być sposobem na to, by skutecznie leczyć, a przede wszystkim w odpowiednim momencie skutecznie diagnozować. Jest zatem pytanie do pana ministra, na ile podejście takie, że nie tylko reagujemy na choroby i na przypadki, z którymi już się zetknęliśmy, ale także jesteśmy w stanie widzieć to w szerszym, bardziej strategicznym kontekście, podejść do zdrowia właśnie jako do elementu bezpieczeństwa narodowego i przeznaczyć środki konkretnie na organizację nowoczesnych ośrodków badawczych… Wiem, że wielu polskich lekarzy, wybitnych specjalistów, takich poznałem, pracuje w takich ośrodkach na świecie. Oni chcieliby, by także w Polsce mogli kontynuować swoją pracę zawodową.

Na końcu jest kwestia Europejskiej Unii Zdrowotnej. To postulat, który dotyczy Medycznej Racji Stanu, wielokrotnie o tym mówiliśmy, ale to także postulat, który może być powiązany z budowaniem dostępu do nowych i skuteczniejszych terapii, jeśli chodzi o choroby rzadkie i choroby ultrarzadkie. Temat Europejskiej Unii Zdrowotnej udało się już zasiać. On w różnych miejscach kiełkuje. Różne organizacje społeczne i politycy zaczynają wypowiadać się na ten temat, wiedząc, że taka konstrukcja jest możliwa w prawie europejskim na zasadach podobnych jak unia energetyczna.

Chciałbym o tym powiedzieć i zapytać pana ministra, na ile dzisiaj możliwe jest, by w sposób bardziej zorganizowany i zdecydowany także z Polski popłynęły propozycje zacieśnienia współpracy na poziomie europejskim, jeśli chodzi o kwestie zdrowia, a w tym przypadku, jeśli chodzi konkretnie o kwestie chorób rzadkich i ultrarzadkich. Mam na myśli zarówno badania, wspólne zakupy, jak i dostęp do nowych procedur. Dziękuję bardzo.

Przewodniczący poseł Tomasz Latos (PiS):

Dziękuję uprzejmie. Szanowni państwo, obiecałem, że głos będzie miał jeszcze pan poseł Zimoch, ale, panie pośle, bardzo proszę króciutko, bo już zabierał pan głos. Nie chcę, żebyśmy powielali swoje wypowiedzi.

Poseł Tomasz Zimoch (Polska2050) – spoza składu Komisji:

Bardzo dziękuję, panie przewodniczący. Postaram się naprawdę krótko, w ekspresowym, sportowym tempie. Ktoś kiedyś powiedział, że by mówić o sprawach ogólnych, nie wolno zapominać o szczegółach. Myślę, że dlatego była poruszana sprawa cewników, a także nocnej napadowej hemoglobinurii. Panie przewodniczący, proszę ani posła Hardiego-Douglasa, ani mnie nie próbować oskarżać o jakiś…

Przewodniczący poseł Tomasz Latos (PiS):

Nie, mówiłem to naprawdę z sympatią, panie pośle. Nie oskarżam, raczej uczulam na pewną delikatność w tej sprawie.

Poseł Tomasz Zimoch (Polska2050) – spoza składu Komisji:

Tak, tylko że i pan poseł Hardie i ja wymieniliśmy jedyny lek, który stosowany jest na rynku dla chorych na PNH.

Przewodniczący poseł Tomasz Latos (PiS):

Panie pośle, tylko że pan w przeciwieństwie do pana posła posłużył się nazwą firmy. Chodzi mi tylko o to, żeby pan tego nie robił.

Poseł Tomasz Zimoch (Polska2050) – spoza składu Komisji:

Toteż powiem dlaczego: bo warto, by ministerstwo, firma i pacjenci chorujący na tę chorobę spotkali się i rozmawiali. Będę do tego dążył.

Mam pytanie. Panie ministrze, czy w związku z Narodowym Planem dla Chorób Rzadkich oprócz tej ustawy będą od razu przygotowane odpowiednie akty wykonawcze? Czy będzie zmiana i jakaś reforma podejścia Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji, jeśli chodzi właśnie o ocenę farmakologiczno-ekonomiczną?

Jak sygnalizują ośrodki chorób rzadkich, obecny system nie jest dostosowany do leków stosowanych w chorobach rzadkich. Potrzeba chyba wyższych wskaźników efektywności kosztowej, dlatego bardzo chciałbym, żeby pan minister opowiedział na ten temat.

Oczywiście są środki z Funduszu Medycznego, jest Narodowy Fundusz Zdrowia, ale jest także pytanie do pana ministra o to, czy nie warto zagwarantować, zapewnić, walczyć o współfinansowanie z budżetu, z innych resortów niż tylko resort zdrowia, bo przecież oprócz leczenia mamy tu jeszcze kwestie społeczne, edukacyjne. Czy Ministerstwo Zdrowia potrafi to wszystko udźwignąć?

Oczywiście jest też to, o czym wiele osób już mówiło. Jak wyglądać będzie polepszenie diagnostyki? Jak ją polepszyć? Jak będzie zagwarantowana sprawna diagnostyka? Wszyscy wiemy, że obecnie niezwykle utrudniony jest dostęp do procedur diagnostycznych, które pozwalają na rozpoznawanie choroby rzadkiej. Jest to związane także z brakiem czujności lekarzy, a przykład, o którym już tu mówiliśmy, przykład nocnej napadowej hemoglobinurii, może najlepiej to potwierdzić…

Przewodniczący poseł Tomasz Latos (PiS):

Panie pośle, miało być krótko jak komentarz do biegu na sto metrów.

Poseł Tomasz Zimoch (Polska2050) – spoza składu Komisji:

… bo miesiącami nie można zdiagnozować pacjentów. Dziękuję bardzo, właśnie skończyłem.

Przewodniczący poseł Tomasz Latos (PiS):

Dziękuję. Szanowni państwo, na koniec wypowiedzi posłów odniosę się teraz do kwestii związanych z dzisiejszym posiedzeniem Komisji. Widzę, że mam jeszcze zgłoszenia zaproszonych gości. Przypominam, że jeżeli eksperci już się połączyli i chcą zabrać głos, to oczywiście czekamy na takie wypowiedzi.

Szanowni państwo, są dwa aspekty sprawy. Jeden jest związany z tym, o czym mówi większość z państwa, czyli są to kwestie związane z terapią w poszczególnych schorzeniach. Jest ich, jak powiedziałem, 6 tys. Eksperci, profesorowie mogą poprawić, doprecyzować, jakie są najnowsze dane. Być może rozpoznanych chorób jest jeszcze więcej.

Kwestia leczenia w tych poszczególnych chorobach jest natomiast bardzo różna. Są sprawy oczywiste, o których mówili też m.in. państwo, gdzie jest udowodniona, sprawdzona i potwierdzona skuteczność określonych terapii czy też potrzeba zaopatrzenia w określone środki medyczne. Są też terapie, których skuteczność jest dość dyskusyjna. Nie chciałbym, abyśmy bardzo szczegółowo rozmawiali teraz o poszczególnych jednostkach chorobowych, dlatego że wśród zaproszonych przedstawicieli różnych grup pacjentów będzie być może przekonywanie do refundacji różnych innych świadczeń, choć to, o czym państwo powiedzieliście, jest oczywiście słuszne. Podpisuję się pod tym, dlatego zależało mi na tym, by był tutaj przedstawiciel NFZ, żeby był przedstawiciel AOTMiT. Instytucje te biorą udział w ewentualnej korekcie również planów związanych z refundacją i finansowaniem.

Tak jak mówiłem wcześniej, skorzystajmy z okazji, jeżeli chodzi o pewne ogólne założenia planu dla chorób rzadkich. Szanowni państwo, gdzie widzę tu potrzebę zwrócenia szczególnej uwagi na pewne rozwiązania? Po pierwsze bardzo dobrze, że taki plan został przygotowany, tak jak mówiłem na początku, i że ma na początek określone wysokie finansowanie. Jest mowa o ośrodkach eksperckich i bardzo dobrze, natomiast bądźmy tutaj precyzyjni, pewne rzeczy wyjaśnijmy i postarajmy się, aby wszystko to stało się rzeczywistym sukcesem.

Na pewno w ośrodkach eksperckich po zdiagnozowaniu należy wprowadzić leczenie. Pewnie będzie tu jakaś specjalizacja, bo nie każdy ośrodek będzie od wszystkiego, więc to też będzie pewnie jakoś podzielone pomiędzy tymi ośrodkami. Równie ważną rzeczą jest natomiast to, aby możliwie jak najwcześniej, jak najskuteczniej i jak najszybciej przeprowadzić diagnostykę.

Nie ulega wątpliwości, że jeżeli mówimy o 6 do 8% populacji, to wysłanie, nawet od razu, przez lekarza rodzinnego – nawiązuję do tego, o czym mówiła pani poseł Zawisza – bez rozpoznania, ale tylko z jakimś podejrzeniem, do kilku ośrodków eksperckich spowoduje, że za kilka lat stwierdzimy, że miało być lepiej, a jest gorzej, dlatego że wtedy kolejka się wydłuży. Przecież miejsc, gdzie można przeprowadzić pogłębioną diagnostykę genetyczną, poradni genetycznych chociażby, jest w Polsce bardzo wiele.

Istotną sprawą jest po pierwsze to, o co pytała pani poseł Zawisza, ale o czym mówili też eksperci, żeby możliwie wcześnie pokierować na właściwą diagnostykę. Są przypadki takie, że komuś robiono 20 razy rezonans magnetyczny, zanim ktoś w końcu wpadł na to, że to może być choroba genetyczna i należy tę osobę skierować na właściwe badanie, które tak naprawdę zakończyło etap diagnostyki. Abstrahuję teraz od tego, czy w danym przypadku choroby rzadkiej można było wdrożyć jakieś leczenie i czy ono jest możliwe, czy nie, natomiast tyle trwała sama diagnostyka i oczywiście była ogromnie kosztowna.

Dlatego ważne jest, żeby po pierwsze lekarze rodzinni i nie tylko, bo także pediatrzy i lekarze innych specjalności, potrafili we właściwym momencie, możliwie jak najwcześniej nabrać podejrzenia, że to może być choroba rzadka, że należy przeprowadzić diagnostykę, przede wszystkim genetyczną, aby tę drogę skrócić. To, co będzie działo się później, to, co będzie później oparte o rejestr, który powstanie, i dalsze terapie w ośrodkach wiodących to zupełnie inna historia. Myślę, że nie powinniśmy mylić tych dwóch rzeczy, dlatego że myślenie, że wszystko załatwi wyłącznie kilka ośrodków wiodących, będzie złudne i błędne, dlatego że one są od realizacji trochę innych zadań, przynajmniej tak to widzę.

Szanowni państwo, pani poseł pytała o właściwą edukację. Trudno, żeby ośrodki eksperckie edukowały lekarzy rodzinnych w potocznym tego słowa rozumieniu, natomiast pewna edukacja, z tego, co się orientuję, odbywa się już nawet od poziomu studiów i myślenie pod tym kątem jest pewnie dużo bardziej rozwinięte i zaawansowane niż 20 lat temu. Oczywiście później ci wyedukowani lekarze rodzinni czy lekarze pediatrzy muszą po prostu wiedzieć, co w określonych sytuacjach robić i gdzie tych pacjentów kierować, a niekoniecznie podejmować inne działania. Tyle z mojej strony.

Mam kolejne zgłoszenia. Pan prof. Marcin Czech, przewodniczący-elekt Polskiego Towarzystwa Farmakoekonomicznego, bardzo proszę, panie profesorze.

Prezes-elekt Polskiego Towarzystwa Farmakoekonomicznego Marcin Czech:

Panie przewodniczący, szanowny panie ministrze, szanowni państwo, Wysoka Komisjo, powiem troszeczkę w swoim imieniu, ale przede wszystkim w imieniu pana prof. Macieja Niewady, który nie zgłosił się, bo jest w podróży służbowej do jednego ze swoich miejsc pracy. Mieliśmy przyjemność pracować nad częścią lekową planu dla chorób rzadkich i bardzo króciutko chciałem powiedzieć, że tam znajdują się bardzo dojrzałe i nowoczesne rozwiązania, jeśli chodzi o podejście do procesu podejmowania decyzji w zakresie refundacji chorób rzadkich. Również w dokumencie „Polityka Lekowa Państwa", który miałem przyjemność koordynować, będąc w Ministerstwie Zdrowia, znajdują się zapisy, które mogą wskazywać takie kierunki.

Jako prezes Polskiego Towarzystwa Farmakoekonomicznego chciałem powiedzieć, że jesteśmy w stanie wesprzeć ten dokument na każdym poziomie, łącznie z dopracowaniem pewnych rozwiązań, które na razie zostały nakreślone czy też nie do końca zeksplorowane, tak że oddaję nasze towarzystwo naukowe do państwa dyspozycji, aby działało w tym zakresie. Chciałem też powiedzieć, że jako członkowie niesłychanie cieszymy się z tego, że plan został skończony i jest na bardzo dobrej drodze do uchwalenia, bo zarówno wyzwania refundacyjne, o których mówili moi przedmówcy, jak i poziom finansowania, również w odniesieniu do cewników i do leków, jak najbardziej zauważamy i popieramy, bo jest to niesłychanie ważne. Popieramy również kwestie w zakresie rejestru, który dostarczy nam, farmakoekonomistom, danych do tego, aby wprowadzić rozwiązania.

Na sam koniec, bo pan przewodniczący prosił o krótkie wypowiedzi, myślę, że absolutnie godne poparcia i podkreślenia jest to, co mówił pan poseł Kowal, czyli współpraca międzynarodowa, bo choroby rzadkie są idealnym kandydatem do tego, żeby również w obszarze leków czy w tym kontekście grupy Fair and Affordable Pricing, V4, czyli Grupy Wyszehradzkiej, czy też w szerszym gronie z naszymi partnerami w UE takie prace prowadzić. Bardzo dziękuję za uwagę.

Przewodniczący poseł Tomasz Latos (PiS):

Dziękuję uprzejmie. Zgłosił się jeszcze pan Adrian Bustos Alfaro, grupa chorych na Zespół Arnolda Chiariego. Bardzo proszę.

Grupa pacjentów z Zespołem Arnolda Chiariego i jamistością rdzenia Alfaro Adrian Bustos:

Dziękuję bardzo. Serdecznie witam panie posłanki, panów posłów, pana ministra i wszystkich zgromadzonych. Postaram się wypowiadać w miarę węzłowo, jeśli chodzi o kwestie, które chciałbym doprecyzować.

Prosiłbym o odpowiedź. Jakie będą ramy w zakresie referencyjności? Mam tu na myśli fakt, że Zespół Arnolda Chiariego i jamistość rdzenia kręgowego to choroby rzadkie, które mają częstość występowania ok. 8 przypadków na 100 tys. Grupa pacjentów chciałaby się dowiedzieć, co jest planowane, by chorzy nie musieli przemieszczać się przez cały kraj, by uzyskać odpowiednie leczenia. Wielu chorych jest wykluczonych transportowo i może mieć z tym problem.

Oprócz tego czy plan dla chorób rzadkich zawiera jakąkolwiek informację w zakresie postępowania w sprawie orzekania o niepełnosprawności czy postępowaniach rentowych? Z naszego doświadczenia jako pacjentów wynika, że lekarze orzecznicy często nie mają wiedzy na temat danych schorzeń i podejmują niewłaściwe decyzje procesowe w zakresie tych postępowań, przez co chorzy docelowo cierpią.

Ostatnia rzecz, o jakiej chciałbym wspomnieć i o którą chciałbym zapytać, jest taka: czy plan zakłada współpracę pomiędzy lekarzami z ośrodków referencyjnych a np. lekarzami rodzinnymi w zakresie głównie leczenia bólu, który jest bardzo utrudniony, jeśli chodzi o obecną sytuację? To powoduje wykluczenie i ogromne cierpienie po stronie osób chorych. Mam tu na myśli fakt, że poradnie leczenia bólu niestety nie są tak łatwo dostępne. Główne pytanie brzmi tam: czy lekarze z ośrodków referencyjnych albo lekarze rodzinni byliby wówczas w stanie wspomóc pacjentów w ramach leczenia bólu? Dziękuję.

Przewodniczący poseł Tomasz Latos (PiS):

Bardzo dziękuję. Dostałem sygnał, że już połączył się pan prezes Maćkowiak. Nie wiem, czy chce zabrać głos. Chciałem też zapytać, czy jest już z nami pani prof. Chrzanowska. Nie ma pani prof. Chrzanowskiej. Czy pan prezes Maćkowiak chce zabrać głos? Jeżeli nie, oddam głos panu ministrowi. Szanowni państwo, chciałem raz jeszcze podkreślić, że mamy i przedstawiciela NFZ, i przedstawiciela AOTMiT. Liczę, że z tych sugestii i dyskusji państwo też wyciągną konstruktywne wnioski. Bardzo proszę, panie ministrze.

Przepraszam, panie ministrze, jeszcze Fundacja SMA. Bardzo proszę, pan Ruciński, ale dwie minuty. Bardzo proszę.

Członek Rady Strategicznej Fundacji SMA Kacper Ruciński:

Dobrze. Dzień dobry. Mam tylko pytanie do pana ministra. Jesteśmy teraz w przededniu publikacji listy leków, które być może będą negocjowane w ramach funduszu lekowego. Jak wiemy, lista została przygotowana przez AOTMiT, ustawa nakładała na AOTMiT bardzo krótkie terminy i z tego, co się orientujemy, ustawa nie zakładała udziału klinicystów innych niż konsultant krajowy w procesie przygotowywania tej listy. Generalnie w proces ten nie są włączeni klinicyści. Z tego powodu rekomendacje AOTMiT…, …opublikowane opierają się na pewno w przypadku leku terapii genowej do leczenia SMA na publikacjach, głównie na literaturze zagranicznej.

Tymczasem w Polsce SMA, czyli rdzeniowy zanik mięśni, jest leczony w ok. 29 szpitalach. Mamy więc prawie 30 zespołów zajmujących się leczeniem tej choroby. Kilka z tych ośrodków to ośrodki, które spokojnie można nazwać wysokiej klasy ośrodkami referencyjnymi. Mają dużo pacjentów. Ośrodki te prowadzą międzynarodowe badania kliniczne nad nowymi cząsteczkami. To jest ogromne doświadczenie. Jak wiemy, żadna literatura nie zastąpi doświadczenia klinicznego.

Mam teraz pytanie do pana ministra. Czy przewidywane jest, aby bez względu na istniejące rekomendacje AOTMiT, w proces definiowania populacji pacjentów do włączania do leczenia, czyli definiowania szczegółów programu lekowego, zostało włączone szersze środowisko klinicystów, przykładowo Polskie Towarzystwo Neurologów Dziecięcych oraz środowisko pacjentów, czyli organizacje takie jak nasza Fundacja SMA? To jest główne pytanie.

Druga sprawa jest taka, że chcemy tylko podkreślić, żeby jeszcze raz wybrzmiało to, co powiedział pan poseł Kowal. Kluczowa jest współpraca międzynarodowa. Widzimy

to w tym momencie bardzo wyraźnie, i w procesach oceny technologii medycznej, i w procesach negocjacji cen…

Przewodniczący poseł Tomasz Latos (PiS):

Bardzo dziękuję i przepraszam, ale musimy już kończyć. Dziękuję bardzo. Z tego, co wiem, AOTMiT wspiera się opiniami ekspertów, również klinicystów. Bardzo proszę, panie ministrze.

Podsekretarz stanu w MZ Sławomir Gadomski:

Bardzo dziękuję, panie przewodniczący. Dzisiaj spróbuję to nakreślić nie chronologicznie, tylko od ogółu do szczegółu. Zacznę od pana posła Zimocha.

Plan to nie ustawa. Żeby doprecyzować pewne rzeczy, powiem, że plan będzie przyjęty na poziomie rządowym. Dzisiejsze spotkanie jest w pewnym sensie informacyjne i posiedzenie Komisji ma dzisiaj taki charakter. Parlament nie będzie przyjmował ustawy w tym zakresie. Co warto podkreślić, plan nie jest narodowy, tzn. zrezygnowaliśmy z nomenklatury „narodowy". Jest to po prostu plan chorób rzadkich, ale to mówię już gwoli formalności.

Plan to de facto również katalog zadań. Pan poseł pytał o to, czy pójdą za tym rozporządzenia wykonawcze, inne akty wykonawcze. Tak, w ramach planu, w ramach tych trzydziestu kilku zadań nakreśliliśmy to, co chcielibyśmy zmieniać. To zmiana ustawy refundacyjnej, wprowadzenie nowego koszyka świadczeń gwarantowanych, zmiana rozporządzenia ministra zdrowia itd., itd., tak że te zadania są wprost zdefiniowane. Plan to zadania, pewne ramy organizacyjne i oczywiście kwestie finansowania.

Warto zauważyć to, co podkreślałem już na początku. Ten plan, czyli środki, które idą za planem i za uchwałą Rady Ministrów, to tylko część tego, co przeznaczamy, czy chcemy przeznaczać, na choroby rzadkie. Wskazałem pewne źródła. Pan poseł słusznie zapytał np. o część socjalną i o potencjalny styk z Ministerstwem Rodziny i Polityki Społecznej. W planie tym, podchodząc do niego zresztą jako do pierwszej iteracji czegoś, od czego chcemy zacząć, obszar socjalny świadomie na chwilę zostawiliśmy z boku. To był konsensus i było wiele dyskusji ze środowiskami pacjenckimi. W Ministerstwie Zdrowia, jak i pacjenci, zdajemy sobie sprawę z tego, że to jest coś, co w drugiej iteracji musimy i chcemy zaadresować. Zacząć jednak chcemy od katalogu zadań. Chcemy, żeby to było wykonalne. W drugiej części chcemy podejść do kwestii socjalnej.

Pan poseł Kowal pytał, również bardzo słusznie, o wsparcie nauki, innowacji, o to, czy nie należy poszukiwać innych źródeł poza Funduszem Medycznym i czy może to być KPO. Panie pośle, myślę, że źródeł będziemy poszukiwać wszędzie tam, gdzie jest to możliwe.

Dobrym przykładem tego jest np. działalność Agencji Badań Medycznych. W tym roku w styczniu został ogłoszony konkurs grantowy na niekomercyjne badania kliniczne w obszarze chorób rzadkich. Łączna alokacja w tym konkursie to aż 100 mln zł, czyli de facto więcej niż idzie za tym planem, dlatego wskazywałem, że ten plan to cząstka finansowania. Rozstrzygnięcie tego konkursu nastąpi prawdopodobnie w czerwcu. Myślę, że to jest właśnie ewidentna wizytówka działalności agencji i pokazanie tych możliwości, których wcześniej nie było, tego, co agencja może realizować i jak w takich obszarach jak chociażby choroby rzadkie, gdzie widzimy, że wiele cząsteczek nie jest poddawanych standardowemu szerokiemu badaniu klinicznemu, oczywiście niektóre do poziomu rejestracji jak najbardziej, natomiast, na co zwraca uwagę AOTMiT, wiele z tych badań jest na wąskich grupach, wiele z tych badań mogło być pogłębianych… Chcemy to również robić na własnym podwórku, ale, jak rozumiem, chcielibyśmy też, żeby za niekomercyjnymi badaniami klinicznymi, które finansujemy w Polsce, poszedł rozwój innowacji na styku nauki i obszaru klinicznego.

Absolutnie zgadzam się i z panem posłem Kowalem, i z wieloma innymi przedstawicielami, szczególnie ze środowisk pacjenckich, że praca międzynarodowa jest konieczna i jest wymagana oraz że choroby rzadkie są na tyle wąskimi jednostkami chorobowymi, że doświadczenia międzynarodowe są krytycznie ważne. Myślę, że już dzisiaj na polu współpracy w obszarze chorób rzadkich mamy naprawdę dobre doświadczenia. Warto wskazać chociażby, że wiele naszych ośrodków już dzisiaj należy do europejskich sieci referencyjnych ds. chorób rzadkich, *European Reference Netword for Rare Diseases*, i tam

rzeczywiście skupiona jest ekspercka wymiana wiedzy. Tylko w ostatnim roku miałem ogromną przyjemność podpisać przynajmniej kilkanaście listów ministra zdrowia polecających właśnie wpisanie naszych polskich ośrodków do europejskich sieci referencyjnych. Myślę, że to jest idealne forum wymiany wiedzy i doświadczeń w tym obszarze, ale również unikalna szansa dla pacjentów, np. skierowania do pewnych europejskich badań klinicznych i do włączenia do takich szerokich badań pacjentów, co już dzisiaj się dzieje.

Schodząc na nieco większy poziom szczegółu, pan prof. Maksymowicz bardzo słusznie zauważył, że jednym z obszarów-bolączek chorób rzadkich jest procedura kwalifikacji leków do refundacji. Częściowo odpowiedział już na to minister Czech. Rzeczywiście pod przewodnictwem pana prof. Niewady zdefiniowaliśmy w tym obszarze lekowym 11 zadań, z których większość ma przybliżać nas do innego podejścia AOTMiT. To takie zadania, jak chociażby wprowadzenie wielokryterialnej analizy decyzyjnej do formalnej oceny HTA leków w chorobach rzadkich, określenie i wprowadzenie do ustawy refundacyjnej wysokości progu kosztu uzyskania dodatkowego roku życia skorygowane o jakość dla leków w chorobach rzadkich, jeszcze większe wykorzystanie…,…przez Komisję Ekonomiczną rozwoju wykorzystywania zaawansowanych instrumentów działu ryzyka czy np. uproszczona procedura wnioskowania o refundacje leków o niewielkim wpływie na budżet państwa itd, itd. Tu już odsyłam do dokumentu. Jako zespół nad tym pracujący, jako Ministerstwo Zdrowia, jak najbardziej zauważyliśmy tę potrzebę i chcemy to zaadresować właśnie po to, żeby dostęp do leków w chorobach rzadkich był łatwiejszy.

Temu służą również rozwiązania określone w Funduszu Medycznym. Przedstawiciel Fundacji SMA pytał w szczególności o ten wykaz, o udział klinicystów. O udziale klinicystów powiem za chwilę, natomiast tam określone są również rozwiązania postępowania z lekami innowacyjnymi, co do których ścieżka refundacyjna rzeczywiście jest czasem trudna do przejścia. Mówimy o świeżo zarejestrowanych lekach, które jeszcze nie mają istotnych publikacji naukowych, często związanych ze skutecznością ich korzystania. Nakreśliliśmy tam ścieżkę, gdzie AOTMiT przeprowadza przegląd i analizę stosowanych terapii innowacyjnych czy zarejestrowanych w Europie cząsteczek i na podstawie dostępnych dowodów i doświadczeń klinicystów przygotowuje taką listę.

Ważniejsze jest jednak to, że terapie te będziemy wprowadzali czasowo, na okres, który jest potrzebny do zebrania naszych własnych polskich dowodów naukowych i do podjęcia finalnej decyzji o tym, czy takie cząsteczki mogą podlegać refundacji, czy nie. To jest ogromna jakościowa zmiana z punktu widzenia procesów wdrażania nowych cząsteczek, bo nie robimy tego w ciemno i nie chcemy robić tego w ciemno, a nawet jeżeli będziemy decydowali się na refundację innowacyjnych terapii nieco w ciemno – mówię „w ciemno" kolokwialnie, nie chciałbym być źle zrozumiany – każde z wdrożeń terapii innowacyjnych ma być obudowane od razu przygotowaniem rejestru klinicznego dla tej terapii po to, żeby po ustawowym dwuletnim okresie podjąć w pełni świadomą decyzję o tym, czy skuteczność danej terapii, której oczekiwaliśmy, potwierdziła się.

Pani poseł Skowrońska pytała o kilka kwestii związanych chociażby z pokryciem i tym, ile chorób rzadkich nie ma leczenia. Pan przewodniczący już o tym mówił. Jest 6 tys. zarejestrowanych dziś chorób rzadkich, z których dla wielu w ogóle nie ma zarejestrowanego leczenia. To nawet nie jest kwestia tego, czy to jest dostępne w Polsce, w Europie. To jest kwestia tego, że to w ogóle nie ma zarejestrowanego leczenia.

Tak jak mówiłem, narzędziem systemowym do tego, żeby oceniać i przeprowadzać analizę luki, jest ustawa o Funduszu Medycznym. To jest coś, czego wcześniej systemowo nie wymagaliśmy. Teraz Agencja Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji ma realizować to, o czym mówiłem, w zakresie terapii innowacyjnych, ale ma również przeprowadzać przegląd terapii lekowych o wysokiej skuteczności klinicznej, już niekoniecznie innowacyjnych, czyli przeprowadzać typową analizę luki, tego, co jest refundowane w rozwiniętych krajach europejskich, a co nie jest objęte refundacją w Polsce.

Pierwszy wykaz ma powstać w sierpniu tego roku i na tej podstawie mają być podejmowane kolejne decyzje refundacyjne. Pamiętajmy też jednak, że o tym, czy dana cząsteczka podlega refundacji, nie decydujemy tylko my jako strona ministerialna, rządowa, ale jest też nam potrzebny partner po stronie tego, kto składa wniosek o refundację, czyli firmy farmaceutycznej. Niestety widzimy i czasem nawet z tego powodu ubolewamy,

że wiele koncernów nie składa wniosków refundacyjnych na dane cząsteczki. Właśnie ustawa o funduszu refundacyjnym ma zapewnić także nam aktywny udział w tym, żeby negocjacje i sygnał o tym, że chcemy refundować pewne terapie, w sposób bardziej aktywny wychodził ze strony ministra zdrowia.

Myślę, że na pytania pani poseł Zawiszy też częściowo odpowiedział pan przewodniczący, mówiąc o ścieżce pacjenta i o edukacji. Absolutnie zgadzam się, że edukacja POZ, edukacja lekarzy specjalistów pediatrów i innych specjalizacji jest wyjątkowo potrzebna. Myślę, a nawet jestem przekonany, że temu ma służyć również platforma informacyjna, czyli jeden z obszarów planu chorób rzadkich, na którym chcemy zbudować dedykowane centra informacyjne właśnie dla tych grup lekarzy, przede wszystkim dla lekarzy POZ, żeby ich uwrażliwić, wskazać potencjalne możliwości i ośrodki referencyjne w przypadku pewnych podejrzeń.

Przechodząc do szczegółowych pytań, np. o nocną napadową hemoglobinurię, musicie mi państwo wybaczyć. Po pierwsze, nie odpowiadam za politykę lekową w Ministerstwie Zdrowia, nie uczestniczę w procesach refundacyjnych w sposób aktywny, ale, tak jak mówię, jest 6 tys. jednostek chorobowych i pewnie tysiące różnych wniosków refundacyjnych, więc myślę, że jako resort zdrowia możemy udzielić szczegółowej odpowiedzi na piśmie, szczególnie że faktycznie, tak jak zauważył pan przewodniczący, wiele tematów, a w szczególności kwestie tego, na jakim etapie jesteśmy w negocjacjach, z jakiego powodu ta refundacja jest albo jej nie ma, to często kwestie objęte procedurą tajności czy poufności. Nie chciałbym rozstrzygać ich dzisiaj na posiedzeniu Komisji Zdrowia, w szczególności w stosunku do jednego leku – tak jak tutaj padło – w ramach którego, jak rozumiem i jak wynika z mojej wiedzy, negocjacje nie zakończyły się sukcesem.

Prawdą jest, że w chorobach rzadkich, gdzie leków jest bardzo niewiele, a grupy pacjentów są bardzo wąskie, bo te leki są często ekstremalnie drogie, a terapie przekraczają milion złotych na pacjenta, z jednej strony bierzemy pod uwagę kwestie dostępności, możliwości, chociażby to, na co wskazywali już przedstawiciele pacjentów i posłowie, czyli możliwość w trybie szczególnym wnioskowania do NFZ o przedłużenie tej terapii, ale musimy też brać pod uwagę pewne aspekty finansowe. Prawdopodobnie w każdym kraju na świecie, myślę, że nawet w Stanach Zjednoczonych, które przeznaczają chyba 17% PKB na zdrowie, wszystkie terapie nie są refundowane i jest niestety pewien światowy standard, że w ramach procesów HTA dokonuje się takich ocen i analiz efektywności klinicznej i efektywności kosztowej danych terapii.

Były jeszcze pytania o kryteria referencyjne ze strony przedstawicieli organizacji pacjenckich. W kryteriach referencyjnych, tak zresztą zapisaliśmy w planie, chcemy bazować na pewnych doświadczeniach europejskich. Tam są pewne kryteria kwalifikacji do sieci europejskich. W planie określiliśmy, że chcemy wypracować nasz polski model i przygotować kryteria referencyjności. Być może to, co powiem, nie będzie wyjątkowo popularne, ale w chorobach rzadkich z punktu widzenia tego, że grupy pacjentów są bardzo wąskie, że wiedza i doświadczenie muszą być skupione w rękach najlepszych, nie powinno decydować kryterium dostępności geograficznej, ale kryterium eksperckie. Jeżeli bowiem mówimy o jednostkach chorobowych skierowanych do 30, 40, a nawet 100 osób, to jestem przekonany co do tego – a myślę, że wszyscy klinicyści, którzy są dzisiaj z nami, to poprą – że czasem wystarczy jeden profesjonalny ośrodek, oczywiście taki, który może, a nawet powinien współpracować czy to z lokalnym lekarzem specjalistą, pod opieką którego jest dany pacjent, czy to z lekarzem POZ. Pełna diagnostyka i leczenie takiego pacjenta raczej jednak powinna odbyć się w ośrodkach o najwyższej referencyjności po to, żeby pacjentom było jak najlepiej, a również dla systemu, żeby to było efektywne finansowo. Dziękuję.

Przewodniczący poseł Tomasz Latos (PiS):

Dziękuję bardzo. Pan minister już pytał, czy odpowiedział na wszystkie pytania, i miałem wrażenie, że o mnie pan zapomniał, mimo że kilkakrotnie wspominał mnie pan w swojej wypowiedzi, ale na końcu w jakimś sensie nawiązał pan do tego, o czym mówiłem.

Panie ministrze, w takim razie muszę powiedzieć, że o ile zgadzam się ze wszystkim, co pan powiedział, o tyle z ostatnią częścią wypowiedzi jednak się nie zgadzam. Powiem

dlaczego. Powtórzę raz jeszcze i bardzo proszę, żeby na tym etapie wziąć to pod uwagę. Jest oczywiste, co uważamy za ośrodki referencyjne. Jeżeli ma pan na myśli, że wyłączamy jakieś wątpliwej jakości pracownie, które prowadzą wątpliwej jakości diagnostykę, to co do tego jest zgoda, natomiast jeżeli mielibyśmy odnieść takie wrażenie – i tu wracam do mojego pytania – że diagnostykę ma się prowadzić na początku tylko w jednym, a później w pięciu miejscach w Polsce, to moim zdaniem jest to błędne założenie. Czym innym jest bowiem prowadzenie terapii w chorobach rzadkich, w których można je skutecznie prowadzić i wymaga to bardzo specjalistycznego prowadzenia, leczenia, a pewnie różne ośrodki będą miały różne doświadczenia w różnych jednostkach chorobowych, a czym innym jest kwestia postawienia właściwego rozpoznania. Jestem absolutnie przekonany, że jeżeli bardzo ograniczymy się z liczbą ośrodków, to w tym momencie nie uzyskamy tego efektu, na który pan wraz z zespołem ciężko pracował.

Zdecydowanie trzeba więc prowadzić tę diagnostykę. Mamy chociażby pracownie genetyczne, czy to przy uczelniach, gdzie są uniwersytety medyczne, czy to w innych miejscach. Oczywiście kwestia sprawdzenia kwalifikacji, jakości, profesjonalizmu jest poza dyskusją. Można to jeszcze rozszerzyć, ale oczywiście z pewną odpowiedzialnością trzeba podejmować decyzje, w jakich ośrodkach należy prowadzić tę diagnostykę; być może, tak jak powiedziałem w uproszczeniu, w ośrodkach akademickich, pewnie nie tylko w akademickich, ale naprawdę szeroko. To jest inna sprawa.

Jeśli źle zrozumiałem, proszę o skorygowanie swojego stanowiska. Nie ukrywam, że chciałbym usłyszeć chociaż krótką wypowiedź przedstawiciela NFZ, bo bez państwa udziału nie da się tego przeskoczyć. Co do innych spraw, o których pan mówił, odnośnie do chorób i leków jest pełna zgoda. Absolutnie z tym się zgadzam. Dodam nawet więcej, za dużo informacji na temat takiego czy innego problemu może spowodować usztywnienie drugiej strony, czyli koncernu farmaceutycznego, który pryncypialnie przyjmie stanowisko i nie będzie chciał być podatny na różnego rodzaju negocjacje, albo w ogóle nie złoży zapotrzebowania i nie będzie chciał wystąpić o refundację, bo uzna, że inna forma jest dla nich korzystniejsza ekonomiczne.

Sekretariat Komisji zwrócił mi uwagę, że chciałaby jeszcze zabrać głos pani profesor…

Proszę bardzo, pan minister.

Podsekretarz stanu w MZ Sławomir Gadomski:

Przepraszam bardzo. Odniosę się, żeby nie pozostało nieporozumienie. Mówiąc o ośrodkach referencyjnych, rzeczywiście chcemy powiedzieć o tych ośrodkach, które mają prowadzić pełne procesy diagnostyczno-terapeutyczne. Zgadzam się z tym, że nie jest tak, że tylko ośrodki referencyjne będą miały prawo realizować diagnostykę diagnostyczną, ale chcemy, żeby diagnostyka była realizowana pod ich nadzorem.

Przytoczę wprost z planu. Celem, który chcemy osiągnąć, jest np. skrócenie czasu uzyskania właściwego rozpoznania choroby rzadkiej poprzez współpracę ośrodka referencyjnego z ośrodkami genetyki medycznej lub poradniami genetycznymi oraz udostępnienie refundowanych badań itd. To jest jedno. Jak najbardziej zakładamy więc, że w procesie diagnostycznym będą miały znaczenie i będzie miejsce nie tylko dla ośrodków referencyjnych, tylko dla profesjonalnych poradni i laboratoriów genetycznych.

Chcemy również – to jedno z zadań szczegółowych – opracować w ramach planu standardy diagnostyki genetycznej dla pacjentów z chorobami rzadkimi. Jest to po to, żeby katalog podmiotów, które mogą to realizować, był szerszy niż tylko ośrodki referencyjne itd, itd. Podobnie jest w zakresie koszyka świadczeń gwarantowanych. Zadania te odnoszą się do szerszego grona ośrodków niż tylko kilkadziesiąt zakładanych ośrodków referencyjnych w różnych jednostkach chorobowych.

Przewodniczący poseł Tomasz Latos (PiS):

Dziękuję. Pani prof. Olga Haus, bardzo proszę. Bardzo prosiłbym krótko, pani profesor.

Przewodnicząca PTGC Olga Haus:

Częściowo pan minister mi odpowiedział, ale chodzi mi o to, że jeżeli ograniczalibyśmy się tylko do ośrodków eksperckich, to one się zatkają. Tak jak poprzednio mówił pan przewodniczący, latami czekałoby się na właściwą diagnozę. Diagnostyka musi być w wielu ośrodkach, które są referencyjne. Np. Polskie Towarzystwo Genetyki Człowieka

wpisywałoby więc dany ośrodek, oczywiście po przejściu certyfikacji, na listę ośrodków certyfikowanych przez PTGC. To wszystko nie może być pod nadzorem ośrodków eksperckich, dlatego że one się udławią, a dodatkowo, tak jak zostało wspomniane, ośrodki eksperckie będą zajmowały się pojedynczymi chorobami i będą się skupiać i najbardziej znać na pojedynczych, a dopiero w szerszym aspekcie także na innych. Ośrodki niższe diagnozują zaś wszystko.

Oczywiście jeżeli chodzi o takie badanie jak badanie całogenomowe, to ośrodek ekspercki albo – to by było lepsze – poszczególni konsultanci wojewódzcy mogą decydować o tym, czy można to zlecić danemu pacjentowi, natomiast generalnie powinien decydować genetyk kliniczny, który ma do tego uprawnienia. Przecież wszyscy zdobywaliśmy specjalizacje i wszyscy jesteśmy tak samo mądrzy albo tak samo głupi. Dziękuję bardzo.

Przewodniczący poseł Tomasz Latos (PiS):

Dziękuję. Jeszcze pani prof. Latos-Bieleńska, bardzo proszę. Bardzo proszę krótko.

Kierownik Katedry i Zakładu Genetyki Medycznej w Poznaniu Anna Latos-Bieleńska:

Chciałam powiedzieć dokładnie to samo, co powiedziała pani prof. Olga Haus. Jest 6 tys. chorób rzadkich. Większość nigdy nie będzie miała żadnego swojego ośrodka eksperckiego, a muszą być zdiagnozowane. Większość diagnostyki powinna być jednak w poradniach genetycznych, których zawsze będzie więcej niż ośrodków eksperckich. Ci eksperci wśród lekarzy genetyków są.

Przykład? Rdzeniowy zanik mięśni. Po urodzeniu neonatolog podejrzewa, że u noworodka jest rdzeniowy zanik mięśni, lekarz genetyk momentalnie idzie, nikt tego dziecka nie odsyła do ośrodka eksperckiego, na miejscu w poradni genetycznej, w laboratorium jest błyskawiczna diagnostyka, jest rozpoznanie i potem, już z rozpoznaniem kierujemy się do ośrodka eksperckiego. Wydaje mi się, że to jest właściwe postępowanie. Dziękuję bardzo.

Przewodniczący poseł Tomasz Latos (PiS):

Dziękuję uprzejmie. Wiem, że pan minister musi niestety biec do innych zadań, a my poprosimy jeszcze o wypowiedź przedstawiciela Narodowego Funduszu Zdrowia. Panie ministrze, bardzo dziękujemy. Do widzenia.

Proszę bardzo. Czy mogłaby pani się przedstawić?

Naczelnik Wydziału Programów Lekowych i Chemioterapii Departamentu Gospodarki Lekami Narodowego Funduszu Zdrowia Agata Wolnicka:

Dzień dobry, szanowny panie przewodniczący, szanowni państwo, Agata Wolnicka, jestem naczelnikiem Wydziału Programów Lekowych i Chemioterapii w Departamencie Gospodarki Lekami Narodowego Funduszu Zdrowia.

Podsumowując dzisiejsze spotkanie, chciałabym oczywiście zadeklarować pełną współpracę NFZ z Ministerstwem Zdrowia w zakresie wdrażania planu na rzecz pacjentów z chorobami rzadkimi. Współpraca ta przebiega już od lat. Na każdym etapie tego planu jesteśmy wdrażani do działań i przekazujemy Ministerstwu Zdrowia swoje opinie. W tym zakresie współpracujemy również z AOTMiT.

Tak jak zostało to zaprezentowane przez pana ministra Gadomskiego, plan zakłada szereg działań, w które będzie zaangażowany NFZ, zarówno na etapie tworzenia zmian legislacyjnych, jak i następnie, na etapie wdrażania tego do funkcjonowania, już po wdrożeniu, czyli na etapie implementowania tych zmian do zarządzeń prezesa NFZ. W tym obszarze deklarujemy więc naszą pełną współpracę z państwem.

Oczywiście wysłuchałam wszystkie uwagi zgłaszane w dniu dzisiejszym. Zanotowałam sobie uwagi, które zostaną przekazane dyrekcji Departamentu Świadczeń Opieki Zdrowotnej, bo część uwag dotyczyła kompetencji obszaru właśnie tego departamentu. Wiem, że przedstawiciel Departamentu Świadczeń Opieki Zdrowotnej uczestniczy w posiedzeniu online, więc na pewno wszystkie te uwagi zostaną przekazane. Deklarujemy współpracę. Jeżeli będziecie państwo mieli jakieś zapytania w tym zakresie do prezesa funduszu, to również przekażemy państwu odpowiedzi. Dziękuję.

Przewodniczący poseł Tomasz Latos (PiS):

Bardzo dziękuję. Szanowni państwo, na koniec jest komunikat do posłów członków Komisji. Proszę o zastanowienie się i przygotowanie tematów dotyczących planu pracy Najwyższej Izby Kontroli. W przyszłym tygodniu będziemy mieli posiedzenie Komisji Zdrowia poświęcone tej sprawie.

Dziękuję. Zamykam posiedzenie.